



AnGes

アンジェス株式会社
2024年12月期 決算説明資料

～「遺伝子医薬のグローバルリーダー」を目指して～



2025年2月

- ◆ 本資料には当社の現在の見通し、予想、目標、計画等を含む将来に関する記述が含まれています。将来予想に関する記述は、現在入手可能な情報をもとに当社の経営陣の判断に基づいています。そのため、これらの将来予想に関する記述は、様々なリスクや不確定要素に左右され、実際の業績その他の結果は、将来予想に関する記述に明示又は黙示された予想とは大幅に異なる場合があります。従って、将来予想に関する記述に全面的に依拠することのないようご注意ください。新たな情報、将来の出来事やその他の発見に照らして、将来予想に関する記述を変更又は訂正する一切の義務を当社は負いません。
- ◆ 上記のリスクや不確実性には、当社を取り巻く経済情勢の変化、研究開発の進捗状況、規制当局からの取得承認、国内外各国の制度改正や法規制等が含まれます。

1 2024年12月期 決算の概要

2 2024年12月期 主要トピックス

- ① HGF遺伝子治療用製品
- ② ゾキンヴィ
- ③ ACRL

3 その他開発品トピックス

- ④ EmendoBio ゲノム編集技術
- ⑤ Tie2受容体アゴニスト AV-001

01

2024年12月期 決算の概要

2024年12月期 連結会計期間の業績

(単位：百万円)

	2023年12月	2024年12月	増減	2024年12月 見通し	2024年12月 実績	増減
事業収益	152	643	490	600	643	43
事業費用	12,120	9,753	△2,367			
営業損益	△11,967	△9,109	2,858	△8,450	△9,109	△659
営業外収支	6,316	1,571	△4,744			
経常損益	△5,651	△7,537	△1,886	△8,450	△7,537	912
特別損益	△1,820	△20,105	△18,285			
当期純損益	△7,437	△28,128	△20,691	△8,650	△28,128	△19,478

- ・当期の事業収益の増加は、ゾキンヴィの販売開始並びに検査受託サービスの受託数の順調な増加による
- ・前年度の補助金収入が無くなり経常損益は前年比マイナス、為替の円安により計画比プラス
- ・のれんの減損処理等による特別損失により当期純損益は大幅な損失を計上

特別損失の計上

2020年12月

2020年12月 ゲノム編集技術で独自技術を有する
EmendoBioを子会社化

固定資産として「のれん」を約227億円計上

2025年2月

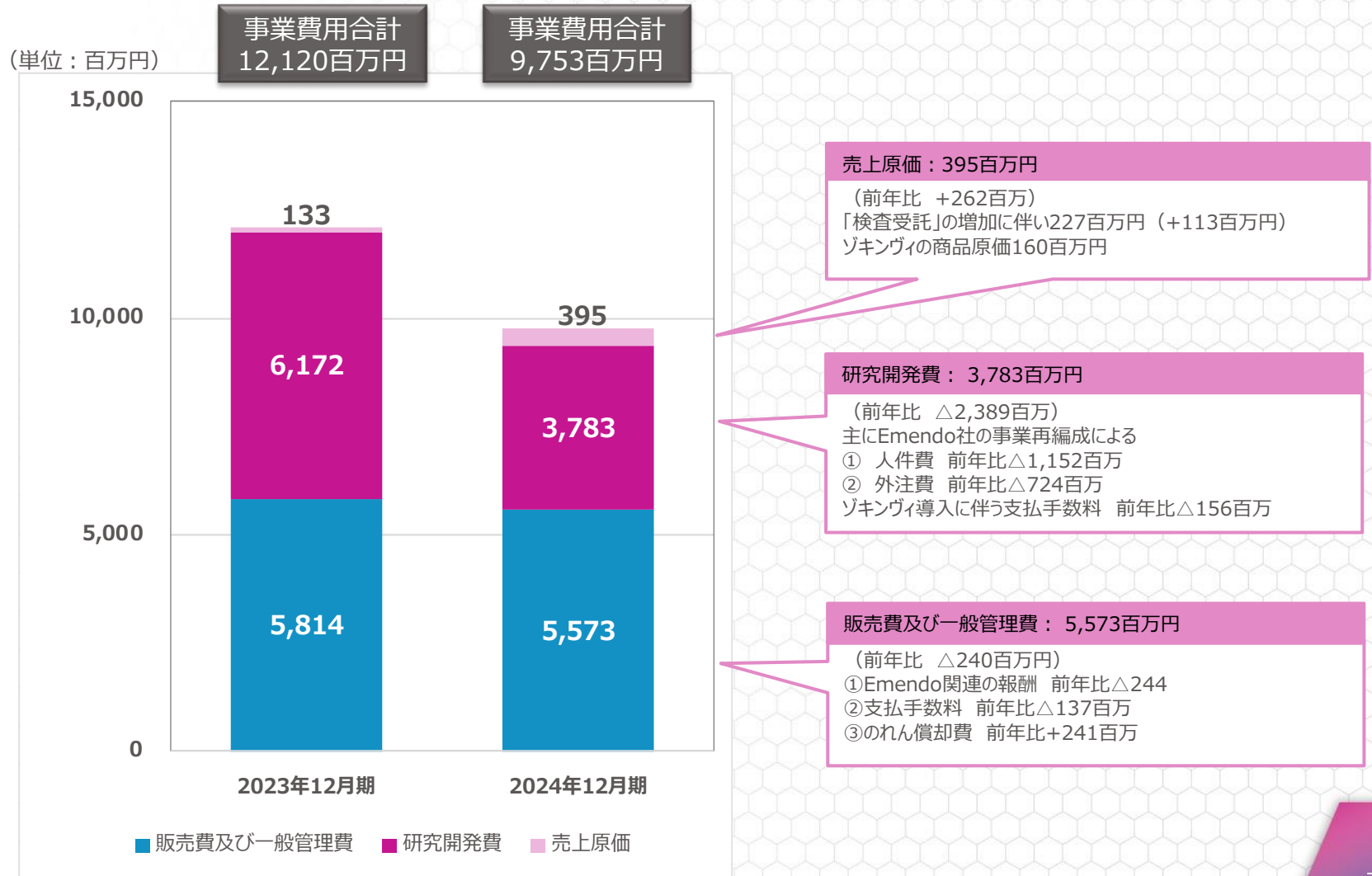
事業再編による新体制の発足から今後の活動に合わせ
有形固定資産とのれんを減損
特別損失として201億円を計上

今後

米国でのライセンス活動の強化
スタンフォード大学との共同研究

業績改善のペースを加速

事業費用の内容



連結貸借対照表 ハイライト

(単位：百万円)

	2023年12月末	2024年12月末	増減
流動資産	5,921	3,542	△2,378
うち現金及び預金	4,160	1,707	△2,452
固定資産	22,971	1,125	△21,845
うち「のれん」	21,746	0	△21,746
総資産	28,892	4,668	△24,223
負債	2,789	2,512	△277
純資産	26,103	2,156	△23,946

流動資産

- 現預金 1,707百万円 (前年度末比△2,452百万円)
資金調達4,425百万円はあるも、事業支出に伴い前年比減少
- 商品 224百万円 ゴキンヴィの販売に伴い
- 原材料及び貯蔵品
評価損の計上により前期末比△264百万円

固定資産

- のれん残高 0円(前年比△21,746百万円)
20,788百万円減損
- 有形固定資産 174百万円 (前年比△248百万円)
使用権資産を減損

負債

- 買掛金 前年度末比△118百万
- 未払金 前年度末比△167百万円
- 事業構造改革引当金 前年度末比△391百万円
- 未払法人税 前年度末比+578百万円

純資産

- 資本金/資本剰余金+4,279百万円
- 当期損失による利益剰余金 △28,128百万円
為替換算調整 前年度末比△130百万円

2025年度通期業績見通し

(単位：百万円)

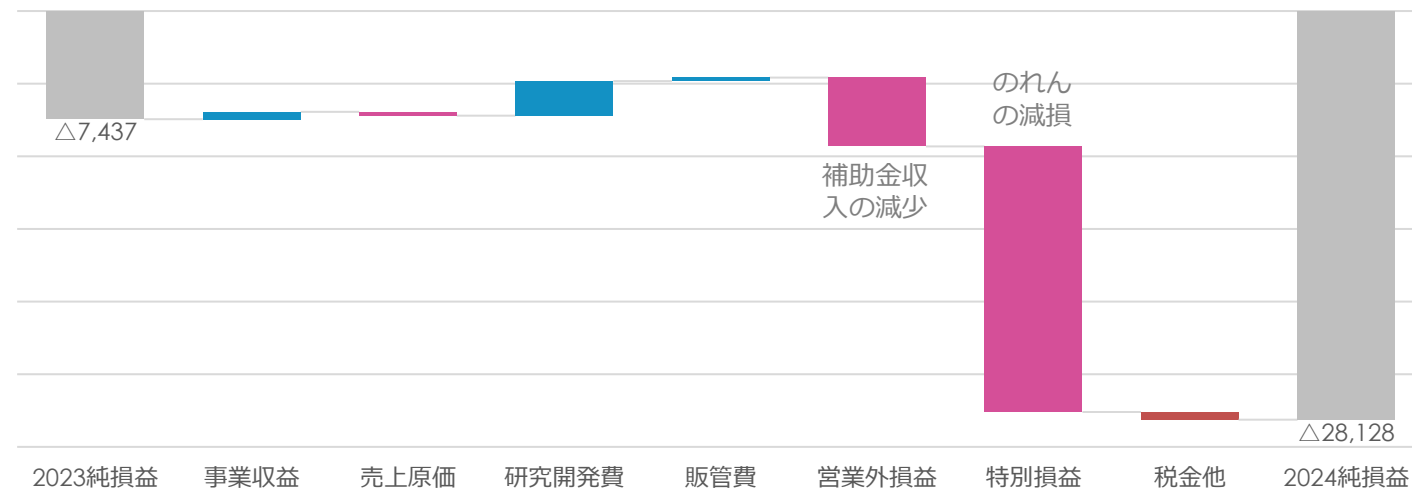
	事業収益	営業損益	経常損益	当期純損益
2025年度 通期 計画	1,350	△5,800	△5,820	△5,850
2024年度 通期 実績	643	△9,109	△7,537	△28,128
増減	707	3,309	1,717	22,278

2025年度 通期業績見通しのポイント

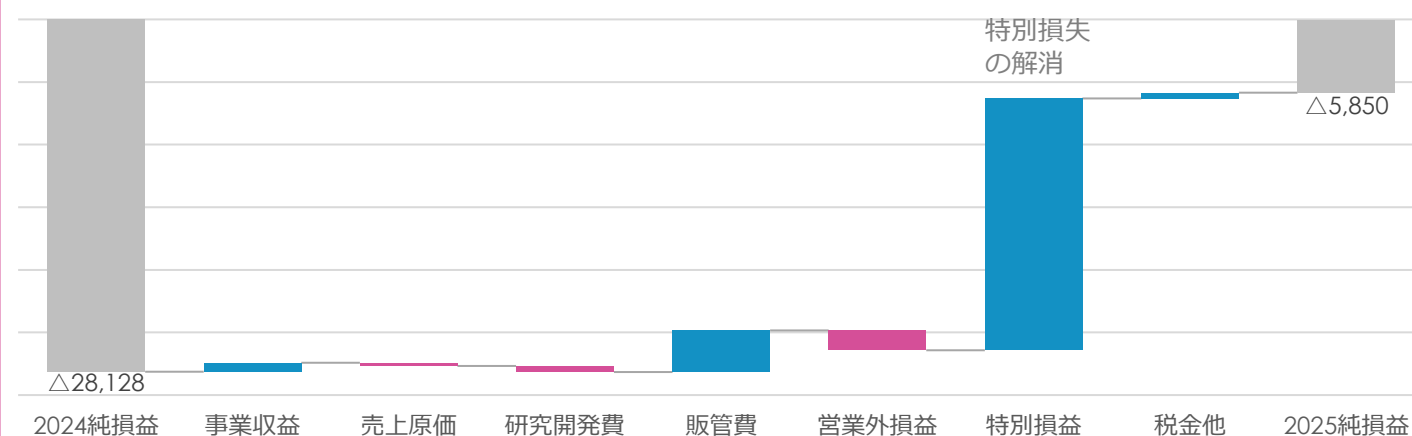
- ・ ゾキンヴィの販売を年間をとおして計画
- ・ ACRLにおける拡大新生児スクリーニングの受託数が順調に増加
- ・ Emendo社の事業再構築に伴う費用（のれんの償却を含む）の削減
- ・ 2024年度に計上した特別損失が無くなる

当期純損益の増減要因

2024年度実績増減要因（2023年度実績比）



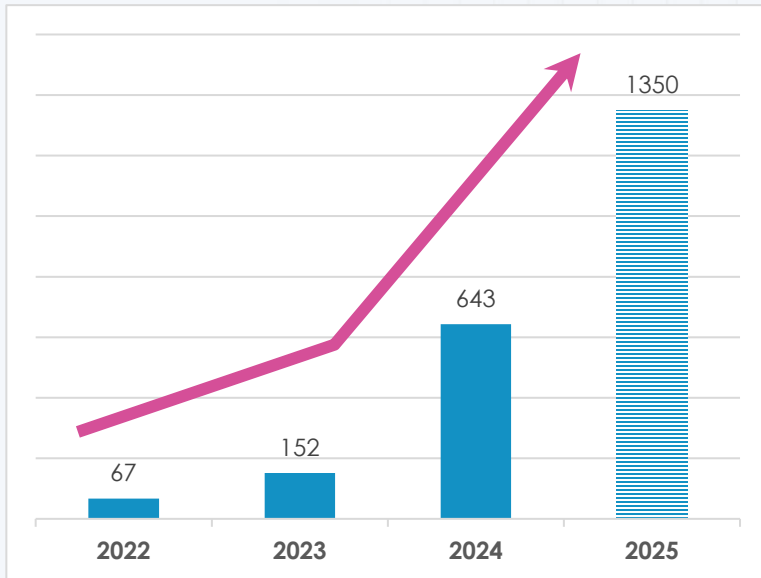
2025年度計画増減要因（2024年度実績比）



事業収益

※2025年は見通し

単位：百万



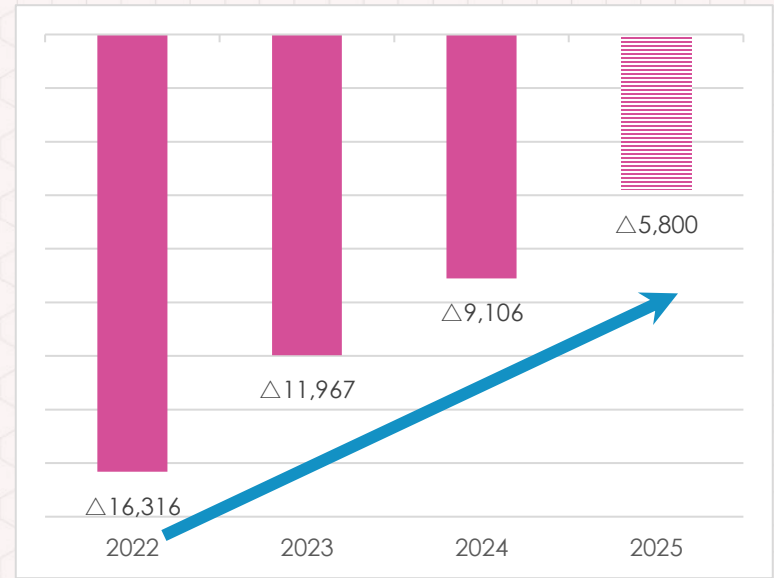
事業収益は増加

- ・ゾキンヴィの販売が通年寄与
- ・ACRLにおける拡大新生児スクリーニングの受託数増加

営業損益

※2025年は見通し

単位：百万



営業損益の数値は改善

- ・Emendo社の事業再編に伴う費用の削減
- ・のれんの償却がなくなったことで収益改善が進む

02

2024年12月期 主要トピックス

当社開発プロジェクトの状況

■承認申請プロセス

プロジェクト	地域	導出先・提携先	剤形	適応症	基礎研究	非臨床試験	臨床試験（治験）			承認・審査	承認	
							第Ⅰ相	第Ⅱ相	第Ⅲ相			
HGF遺伝子治療用製品 (ベベルミノゲンヘルプラスミド)	日本	－	注射剤	慢性動脈閉塞症								
	米国	－	注射剤	慢性動脈閉塞症								
	イスラエル	Kamada	注射剤	慢性動脈閉塞症								
	トルコ	Er-Kim	注射剤	慢性動脈閉塞症 潰瘍								
NF-kBデコイオリゴDNA	米国/日本	－	注射剤	腰痛症								
DNAワクチン	オーストラリア	－	注射剤	高血圧								
DNAワクチン	米国	－	経鼻投与	新型コロナウイルス 感染症(COVID-19)								
Tie2受容体アゴニスト	米国	Vasomune	注射剤	COVID-19及び 急性呼吸窮迫症候群								
Zokinvy (ロナファルニブ)	日本	Eiger (導入元)	カプセル剤	早老症 HGPS・PDPL*								

*「HGPS」：ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群 / 「PDPL」：プロセッシング不全性のプロジェロイド・ラミパチー

1

HGF遺伝子治療用製品の進捗

2

早老症治療剤「ゾキンヴィ」国内で発売

3

ACRL 群馬県・埼玉県・沖縄県・長野県の検査受託開始

1

HGF遺伝子治療用製品の進捗

2

早老症治療剤「ゾキンヴィ」国内で発売

3

ACRL 群馬県・埼玉県・沖縄県・長野県の検査受託開始

HGF遺伝子治療用製品とは？

遺伝子治療とは

特定の遺伝子を患者の体内に入れて
その遺伝子から作られるタンパク質の働きによって病気を治す治療法

HGFとは

肝細胞の増殖を促す物質

1984年、日本にて、最も再生能力の高い臓器である肝臓から一つの成長因子が発見されました。
その因子は、肝細胞増殖因子（Hepatocyte Growth Factor : HGF）と名付けられ、肝臓のみならず、
血管、リンパ管、神経など生体の様々な臓器・組織の形成・再生において主要な役割を果たしていることがわかりました。

HGFには、血管を新生する能力があることを発見

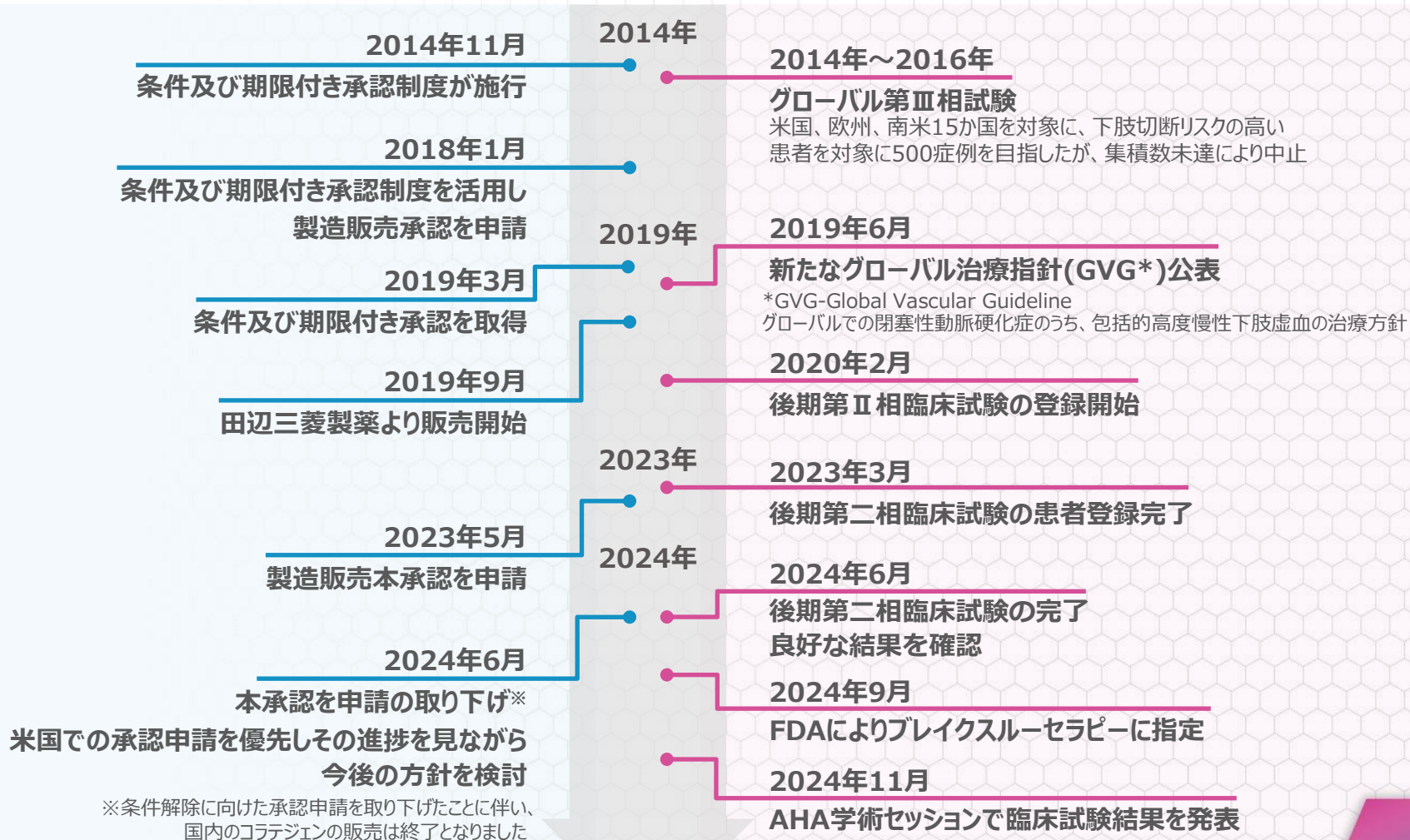
1995年、大阪大学の森下竜一教授らの研究チームにより
HGFに「血管を新生する」能力があることが発見され、血管が詰まり血流が悪くなっている
虚血性疾患(きよけつせい しっかん)に対し「血管を新生する」というこれまでにない
作用を有する治療薬「HGF遺伝子治療薬」の開発が始まりました

※「血管を新生する」とは、血管を新しく増やすこと。新生(新しく作る)していくことで、血管が再生されていく。

HGF遺伝子治療用製品の振り返り

<日本>

<米国>



HGF遺伝子治療用製品の2024年の主な進捗

2024年9月

米国後期第Ⅱ相臨床試験の
良好な結果から
FDAによるブレイクスルーセラピー
(画期的新薬)の指定

「審査期間の短縮」と
「承認確度の向上」が
期待できる

2024年11月

米国心臓学会(AHA)の
学術セッションにおいて
臨床試験結果を発表

循環器医療の領域において
世界的にも有名で権威ある学会で
臨床的な重要性が認められました

重症下肢虚血の5年後の死亡率

重症下肢虚血とは

米国の南カリフォルニア大学のアームストロング博士によると
米国での重症下肢虚血の患者の5年後の死亡率は57%であり、
肺がんの死亡率80%に次いで高い重症な疾患

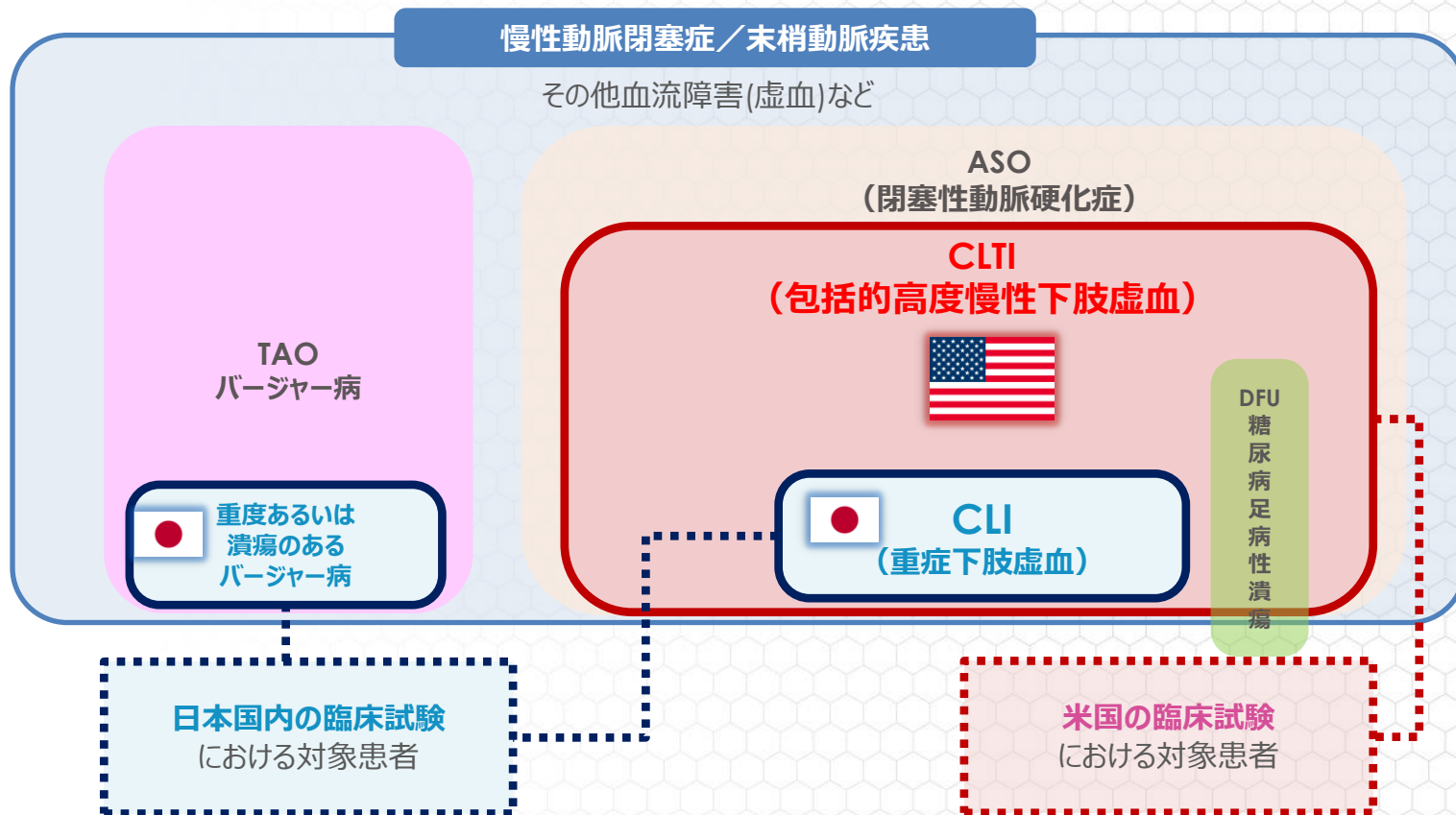
重症下肢虚血についてもがん治療と同様に
早期に治療を開始することが重要

下肢切断リスクの低い慢性動脈閉塞症の患者を対象として
後期第Ⅱ相臨床試験を実施

優れた臨床試験結果を実現
論文を著名な医学誌で発表予定

日本と米国の臨床試験における疾患の範囲

2019年の米国でのガイドライン改定と臨床試験の指導医の提案により
 CLIからCLTIに対象を広げ、下肢切断リスクの低い患者も対象に含めて後期第Ⅱ相臨床試験を実施



閉塞性動脈硬化症のCLIの潰瘍のある患者または潰瘍のあるTAO患者を対象としていた

グローバルの新しいガイドラインに沿って、CLTIの下肢切断リスクの低い患者を対象に臨床試験を実施

2024年12月期 トピックス

1

HGF遺伝子治療用製品の進捗

2

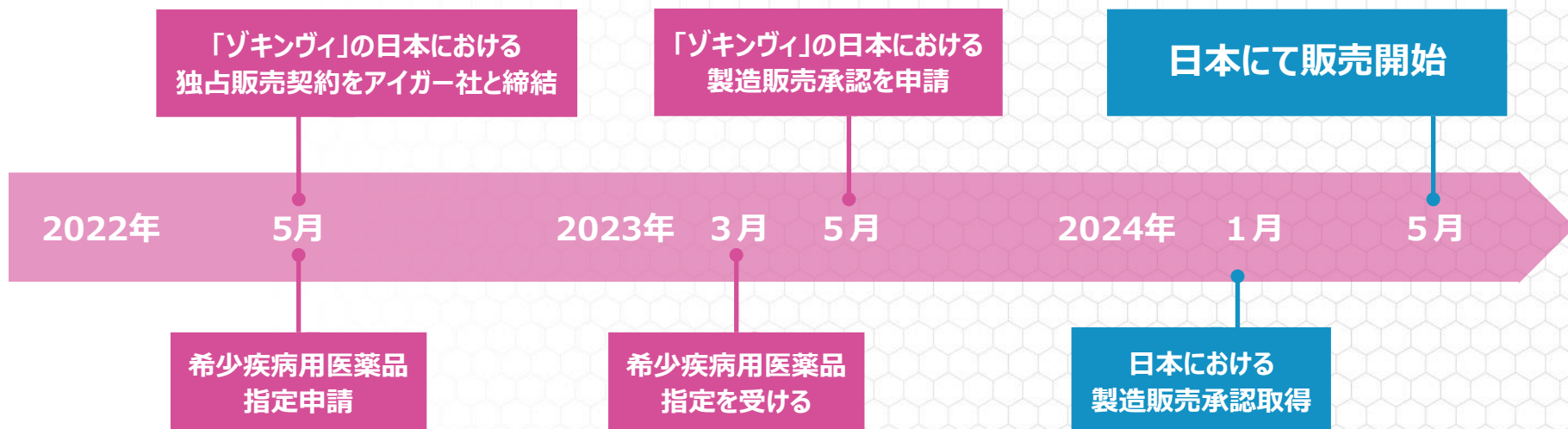
早老症治療剤「ゾキンヴィ」国内で発売

3

ACRL 群馬県・埼玉県・沖縄県・長野県の検査受託開始

ゾキンヴィについて

2024年5月27日 販売開始



ゾキンヴィ(ロナファルニブ)



【薬価】

左 91,796.40円／ゾキンヴィカプセル50mg（1カプセル）
右 136,544.00円／ゾキンヴィカプセル75mg（1カプセル）

【効能、効果又は性能】

ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群及びプロセシング不全性のプロジェロイド・ラミノパチー

<用法及び用量又は使用方法>

ロナファルニブとして開始用量115 mg/ m² (体表面積)を1日2回、朝夕の食事中又は食直後に経口投与し、4か月後に維持用量150 mg/m²(体表面積)を1日2回、朝夕の食事中又は食直後に経口投与する。なお、患者の状態に応じて適宜減量する。

ゾキンヴィについて

ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群(HGPS)及び
プロセシング不全性プロジェロイド・ラミノパチー(PDPL)の治療薬

対象疾患

乳児早老症といわれる、「HGPS」と「PDPL」

早老症とは、老化の徴候が実際の年齢よりも早く、全身にわたってみられる疾患の総称
実年齢よりも老化が進む症状が見られるため“早老症”と呼ばれる
HGPSの平均年齢は、14.5歳と報告されています

有効性

ハッチンソン・ギルフォード・プロジェリア症候群（HGPS）の
患者において、**死亡率を72%減少**させ、
平均生存期間を4年程度延長させるというデータがあります

安全性

多くのHGPS患者が10年以上にわたってゾキンヴィ治療を継続しており、
報告された副作用は嘔吐、下痢、悪心などが多く、そのほとんどが軽度又は中等度

「ゾキンヴィ」がドラッグロス/ラグ解消の契機に

今回「ゾキンヴィ」の導入成功が、今後の日本におけるドラッグロス、ドラッグラグ解消に向けたきっかけになることを期待するとのコメントがあり、報道番組等で紹介されました

「ゾキンヴィ」の発売に合わせて、6月18日に報道関係者を対象とした説明会を実施

大分大学医学部教授・井原健二先生と佐賀大学医学部教授・松尾宗明先生から
「ゾキンヴィ」の対象疾患であるHGPS及びPDPLについて
疾患の特長やその治療に関する説明をしていただきました



詳細は、HPのNewsより([こちらから](#))ご覧いただけます

2024年12月期 トピックス

1

HGF遺伝子治療用製品の進捗

2

早老症治療剤「ゾキンヴィ」国内で発売

3

ACRL 群馬県・埼玉県・沖縄県・長野県の検査受託開始

ACRLの取り組み

アンジェスクリニカルリサーチラボラトリー（ACRL）では
希少遺伝性疾患検査における“**拡大新生児スクリーニング**”を実施しています。

希少遺伝性疾患検査

スクリーニング検査

新生児に
遺伝性疾患の可能性があるかを
検査

遺伝学的検査 (確定診断)

スクリーニング検査で
疾患の可能性があると判断された場合、
疾患の有無を確定させる

バイオマーカー検査 (治療効果のモニタリング)

治療開始後、
治療効果・改善状況を判断
するためのデータ提供

新生児マス・スクリーニング（公的マス）

- ・日本出生の全新生児に無償で実施（自治体負担）
- ・先天性代謝異常症（フェニルケトン尿症など）や
内分泌疾患（先天性甲状腺機能低下症など）

拡大新生児スクリーニング

- ・希望者に有償で実施
- ・マススクリーニング対象外の疾患
(ポンペ病、ムコ多糖症等)

2021年4月より実施

※スクリーニングとは：

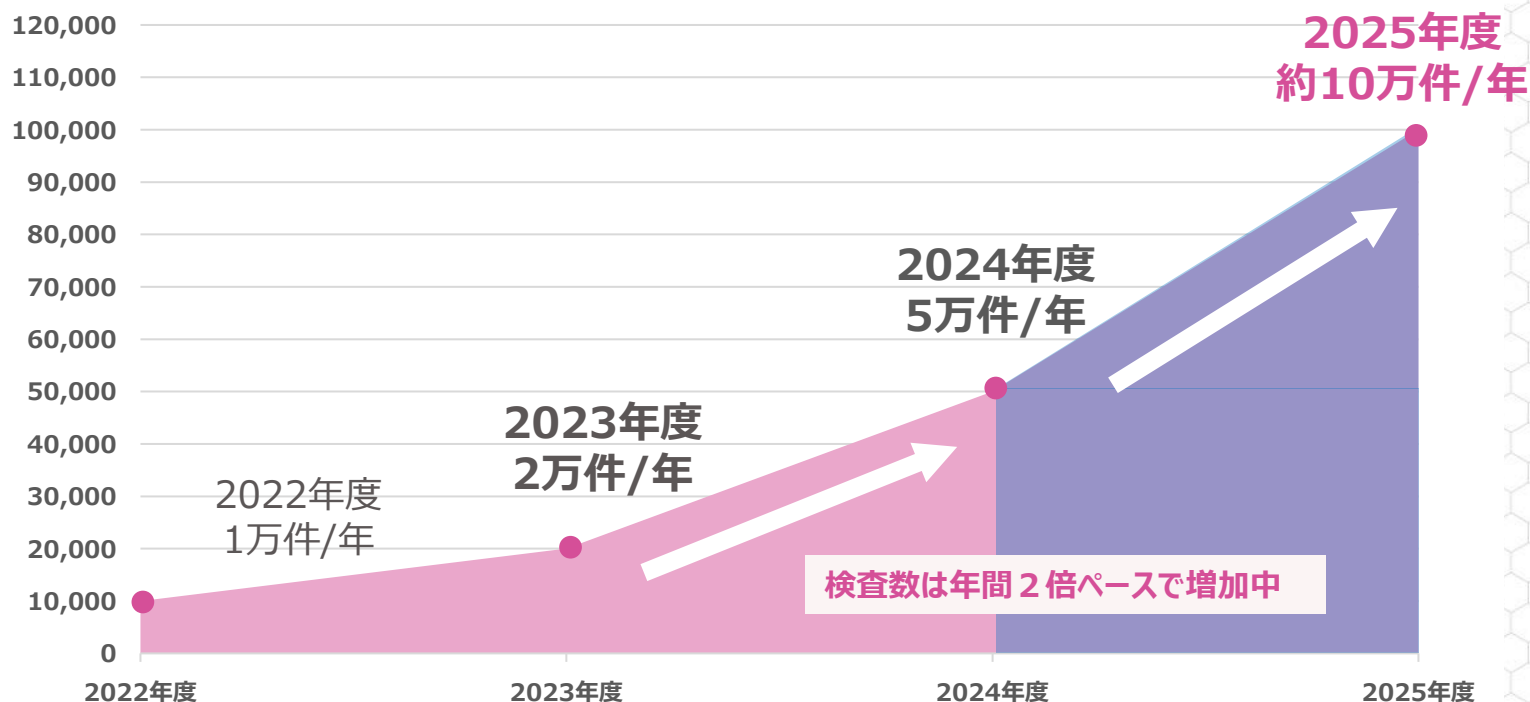
第一段階として、大勢の中から疑わしい人をピックアップするため、ふるい分けを行う検査。スクリーニング検査には通常、見逃しが無いよう感度の高い検査法が用いられる。

ACRLの拡大新生児スクリーニング検査の状況

拡大新生児スクリーニング検査数は継続して増加中

2023年度は約2万件、2024年度は約5万件

2025年度は約10万件の受託見込み



引き続き、受託先の拡大と検査対象疾患の拡大に取り組む

自治体単位の拡大新生児スクリーニング検査の受託

早期診断・早期治療が極めて有効な希少遺伝性疾患を対象とした
拡大新生児スクリーニング検査を**自治体**（又はその関連団体）から**直接受託**する

拡大新生児スクリーニング検査の流れ

2021年4月1日より、
CReARIDからオプションスクリーニングを受託
(2023年には年間約2万件実施)

→ 検査の依頼
← 検査結果報告



埼玉県、群馬県、沖縄県など拡大新生児スクリーニング検査を自治体から直接受託
2025年には長野県からの受託を開始

遺伝学的検査の受託開始

希少遺伝性疾患検査

スクリーニング検査

新生児に
遺伝性疾患の可能性があるかを
検査

遺伝学的検査 (確定診断)

スクリーニング検査で
疾患の可能性があると判断された場合、
疾患の有無を確定させる

バイオマーカー検査 (治療効果のモニタリング)

治療開始後、
治療効果・改善状況を判断
するためのデータ提供

ゾキンヴィの発売に合わせ
対象疾患の確定検査を受託開始

新生児マス・スクリーニング（公的マス）

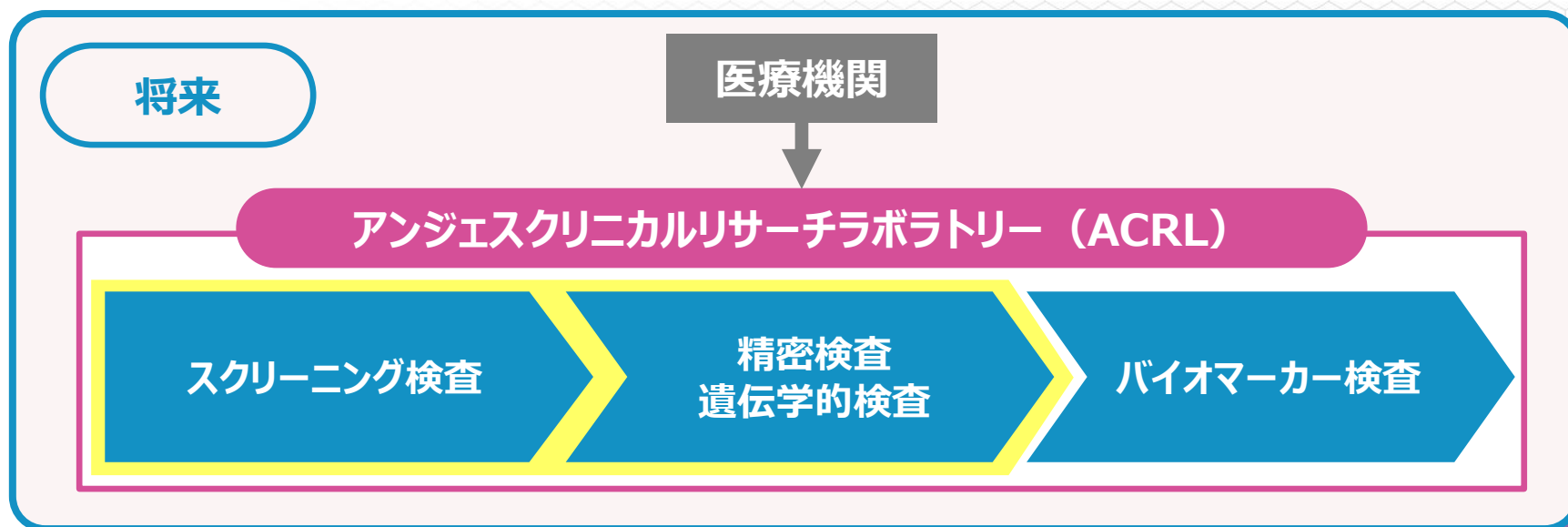
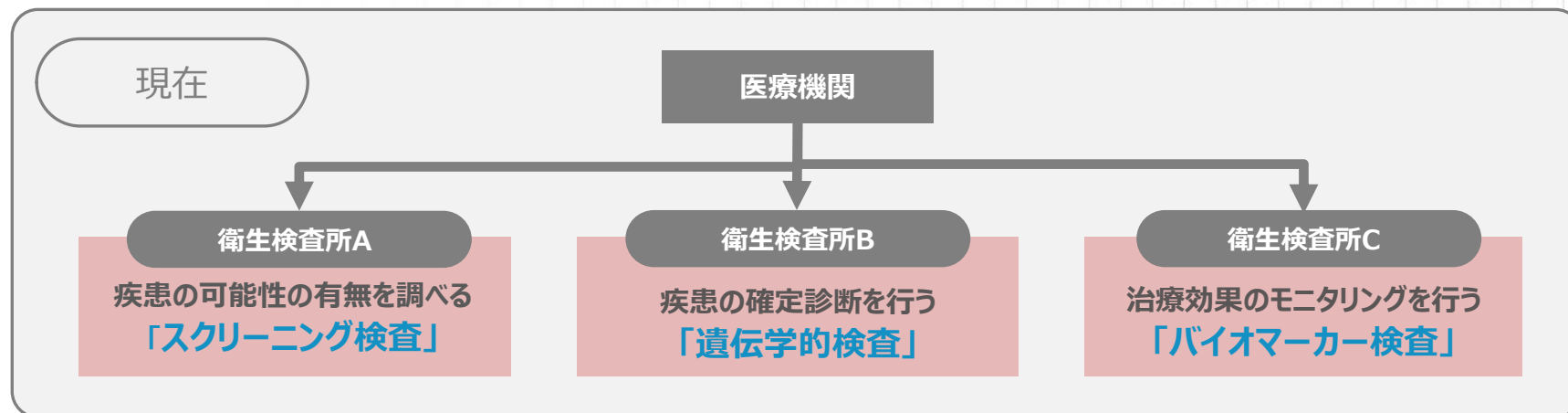
- ・日本出生の全新生児に無償で実施（自治体負担）
- ・先天性代謝異常症（フェニルケトン尿症など）や
内分泌疾患（先天性甲状腺機能低下症など）

拡大新生児スクリーニング

- ・希望者に有償で実施
- ・マススクリーニング対象外の疾患
（ポンペ病、ムコ多糖症等）

希少遺伝性疾患検査をワンストップで提供

ACRLでは、希少遺伝性疾患に関する各種検査を一貫して提供できる体制構築を目指します



03

その他開発品トピックス

4

Emendo社のゲノム編集技術をライセンス

5

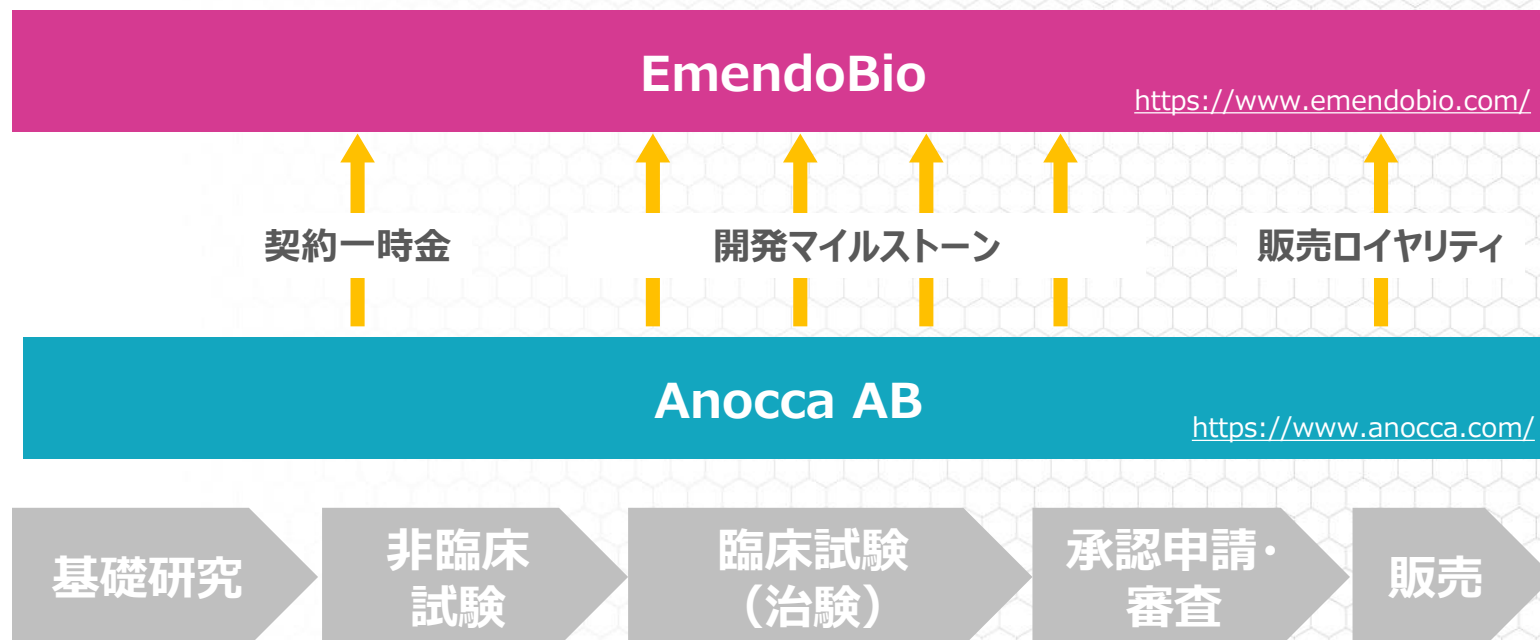
Tie2受容体アゴニストの第Ⅱ相臨床試験

ライセンス契約内容

2024年3月14日

Emendo社がスウェーデンのAnocca社とライセンス契約

(Emendo社が開発したゲノム編集のためのOMNIヌクレアーゼの非独占的使用権の供与)



TCR-T細胞による治療

Anocca社は、Emendo社が開発したOMNIヌクレアーゼを使用し
固形がんのKRASタンパク質変異を標的としたTCR-T細胞療法の開発を進める

EmendoBio

従来型のCas9よりも正確で
効率的なゲノム編集が可能な
OMNIヌクレアーゼ

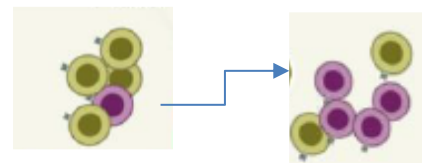


emendo^{bio}

+

Anocca AB

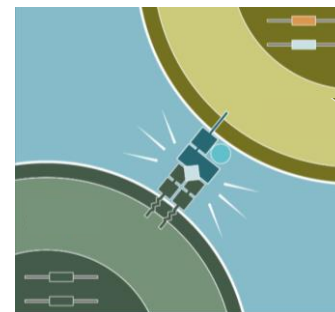
特定の抗原を認識するTCRを
発現するT細胞を選別、
培養する技術



anocca

がん細胞特異的な抗原を認識する 人工T細胞（TCR-T細胞）の作製

Anocca社は様々ながんの特異的TCR受容体ライブラリを保有しており
EmendoBio社のOMNIヌクレアーゼを使って患者のT細胞に
対象となるがんのTCR受容体遺伝子を組み込み、TCR-T細胞を作製する



免疫療法について

患者さん自身が持っている免疫細胞の一つであるT細胞を採取して
がんと戦うように強化して体に戻す治療法



患者さん自身の免疫細胞が元となっているため
正常な組織が攻撃される心配がない

血液のがん

造血組織の異常によって発生したもの
かたまりを作らずに増える
(白血病、悪性リンパ腫、骨髄腫など)



CAR-T細胞治療法

固形がん

がん細胞が集まってできたもの
かたまりで増える
(膵がん、肺がん、大腸がん、食道がんなど)



Anocca AB

TCR-T細胞治療法

EmendoBio

CAR-T細胞療法はキメラ抗原受容体を遺伝子改変技術によりT細胞に導入し、体外で増殖させて患者に輸注する治療法です。CAR-Tは血液がんでは大きな成功を収めていますが、細胞表面の抗原しか認識することができないため、固形がんに適用するには課題があります。

細胞内に存在するがん関連抗原を認識するTCR受容体を発現させた人工T細胞（TCR-T細胞）はCD19 CAR-Tに代表される血液腫瘍を狙ったCAR-Tとは異なり、**固形がん**への適用が可能です。**手術不能な難治性固形がん**に対する**副作用の少ない治療法**として大きな注目を集めています。

スタンフォード大学との共同研究

Emendo社が開発したOMNIヌクレアーゼを使用し
スタンフォード大学と新規がん治療法の共同研究開発を開始

EmendoBio

従来型のCas9よりも正確で
効率的なゲノム編集が可能な
OMNIヌクレアーゼ

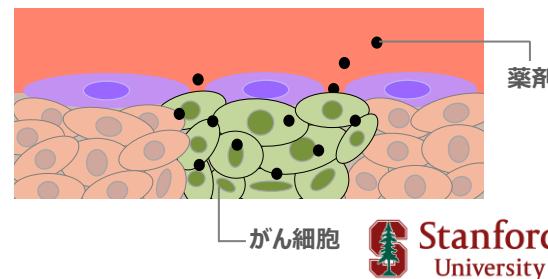


emendo^{bio}



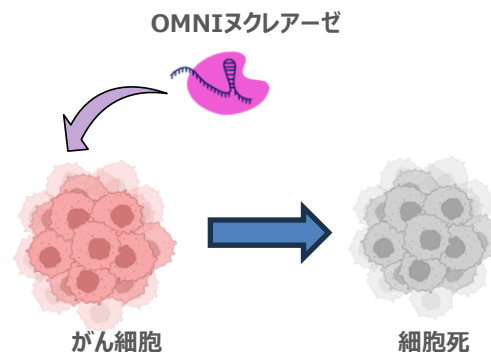
Stanford University

がん組織特異的に薬剤を
送り込む技術



乳がんを標的とした新規がんゲノム編集治療法の開発

スタンフォード大学では、がん組織特異的薬剤送達技術、がん放射線療法及びがん免疫療法等の新しいがん治療法の開発において先進的な研究を行ってきております。Emendo社のOMNIヌクレアーゼを使ってがん細胞特異的にゲノム編集を行い、がん細胞の治療抵抗性を低下させることにより、がん細胞のみを死滅させる治療法を開発します。





その他

4

Emendo社のゲノム編集技術をライセンス

5

Tie2受容体アゴニストの第Ⅱ相臨床試験

前期第Ⅱ相臨床試験の進捗

米国FDAよりFast Trackの指定を受けました

Fast Trackとは

重篤な疾患に対する治療薬やアンメットメディカルニーズに対する薬剤を優先的に審査する制度

有用性が期待される医薬品をより早く患者に届けることを目的としています

Fast Trackのメリット

FDAとのより頻繁な会議やコミュニケーション

迅速承認と優先審査

全てのデータが揃う前に承認申請を行い五月雨式の審査を受けることが可能

2025年後半の目標症例数登録完了を目指す

「遺伝子医薬のグローバルリーダー」を目指して



アンジェス ホームページ
<https://www.anges.co.jp>